

과학으로서의 의학  
구원으로서의 의료

# 로렌조 오일(1992)

감독 : 조지 밀러

출연 : 닉 놀테, 수잔 서랜든



# 조지 밀러

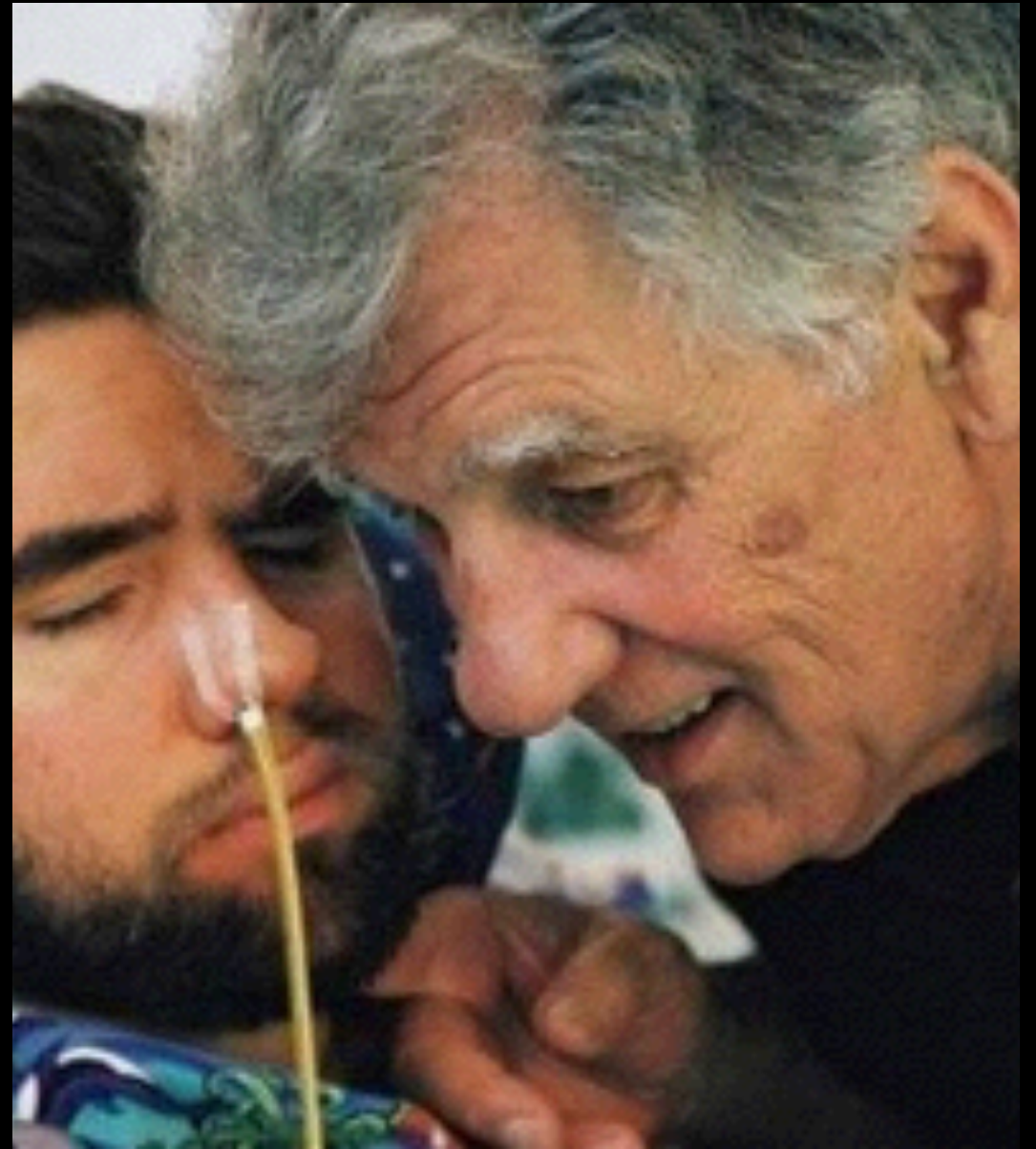
- 오스트레일리아 출신 영화 감독
- 의대 졸업 후 인턴 과정 중 영화 감독으로 돌아섬
  - 매드 맥스 (1979) - 데뷔작(저예산영화)
  - 매드 맥스 2 (1981) - 할리우드 데뷔작
  - 매드 맥스 3 (1985)
  - 로렌조 오일 (1992)
  - 꼬마 돼지 베이브 (1995)
  - 해피 피트 (2006)
  - 매드 맥스 : 분노의 도로 (2015)





# 실제

- ❖ 1984년 로렌조 ALD 증상 발견
- ❖ 2000년 어머니 사망
- ❖ 2008년 로렌조 사망(30세)
- ❖ 2013년 아버지 사망



# 로렌조 오일

- 올레산과 에루크산을 4:1로 섞은 약품으로, ALD 치료를 위해서는 매달 440달러 비용이 듦.
- 현재 Kennedy Krieger Institute의 임상시험용으로만 복용 또는 구입 가능.
- 아직 FDA나 KFDA의 승인은 받지 못함.
- Poulos의 연구(1994)는 로렌조 오일이 혈중 포화지방산 수치를 낮추는 데는 분명 효과가 있지만, 뇌의 포화지방산 수치를 낮추는 데는 그만큼의 효과가 없다고 주장.
- 휴고 모저의 연구(2005)는 로렌조 오일이 ALD 증상이 이미 나타난 후에는 효과가 없지만, 증상이 나타나지 않은 단계에서는 어느 정도 효과가 있다고 주장.

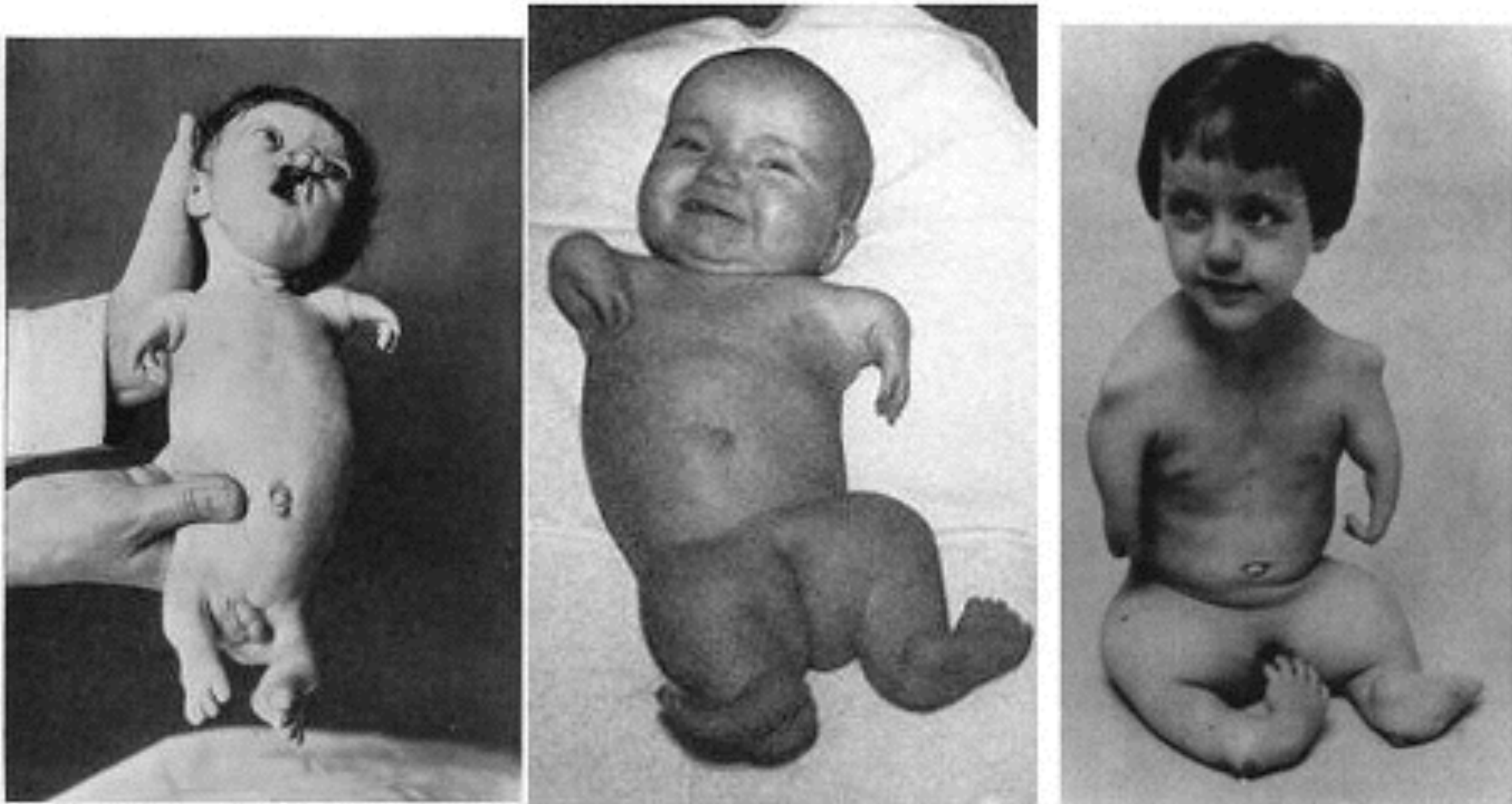


# 임상시험

의약품을 개발, 시판하기에 앞서 그 물질의 안전성과 유효성을 검증할 목적으로 해당 약물의 체내 분포, 대사 및 배설, 약리효과와 임상적 효과를 확인하고 부작용을 조사하기 위하여 사람을 대상으로 실시하는 시험 또는 연구

# 왜 필요한가?

동물 실험이나 세포 수준의 실험으로는 드러나지 않는  
인체 내 작용이 있을 수 있음



## 탈리도마이드 사건

1957년 수면제로 판매 시작. 입덧 방지제로 사용 중  
1만여 명의 사지결손 기형아 출산. 1961년 시판 중지.



**STEP 1**  
신물질 발견 · 검색

개발목표 설정 후 실험실에서 신약후보 물질을 합성하거나 자연에서 추출

**STEP 2**  
비임상 시험

실험실에서 개발된 신약후보물질을 동물에게 투여하여 안전성 및 효능을 검색,  
인간에 대한 투여량의 범위를 추정

**STEP 3**  
임상 1상

신약후보물질을 최초로 사람(건강한 자원자)에 적용하여 안전성, 효능, 투여량 확인

**STEP 4**  
임상 2상

해당 경증환자 100~300명 대상으로 2~3년간 장기간 관찰로 약물의 유효성을 확립 후 최종적 확증

**STEP 5**  
임상 3상

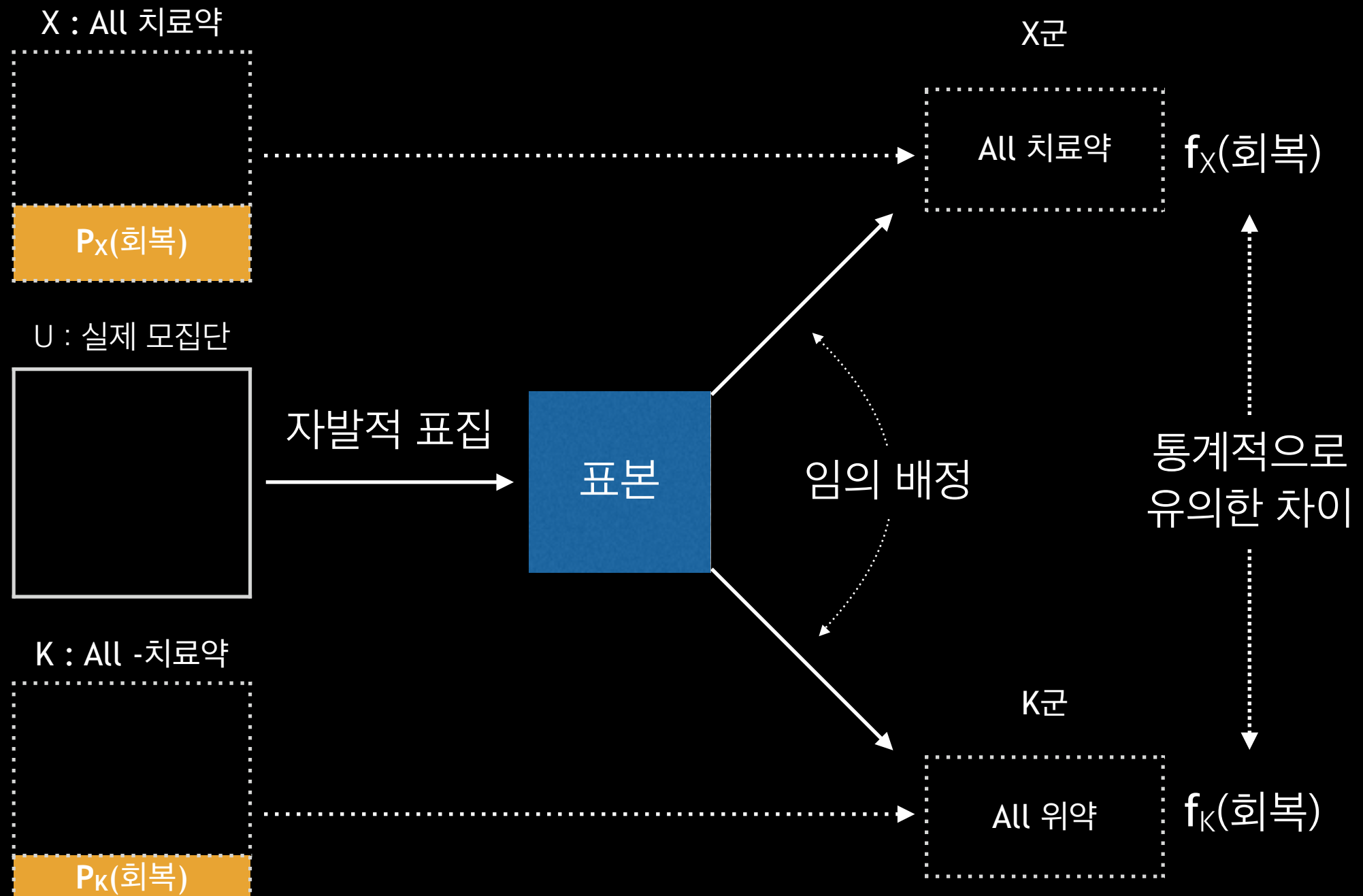
해당 환자 1000~5000명 대상으로 2~3년간 장기간 관찰로 약물의 유효성을 확립 후 최종적 확증

**STEP 6**  
임상 4상

시판허가를 받은 신약의 실제 임상경험상의 유효성, 안전성, 부작용 자료수집, 신약의 최적 사용을 위한 연구

# 일반적인 신약 허가 절차

# 무작위 대조군 실험 절차



# 무작위 대조군 실험의 필요성

- ✧ 대조군의 필요 : 자연 치유 효과 제거
- ✧ 무작위 대조군의 필요 : 개인차에 의한 효과 제거
- ✧ 이중맹검의 필요 : 위약 효과와 면접자 효과 제거

# 환자 겸 피험자의 이중 정체성

환자는 약의 효과를 검증하기 위한 자료  
시험 중인 약은 환자의 마지막 희망

# 임상시험의 윤리적 문제들

- ✧ 환자가 부작용이 있는 약이라도 바란다면?
- ✧ 시험 중인 약의 효과가 확실하다면 엄격한 무작위 대조군 실험은 대조군에게 피해를 주는 것 아닌가?
- ✧ 대조군의 피험자는 사실상 치료를 받지 않는 것 아닌가?



# 불법 ‘구매자 클럽’

시간이 얼마 남지 않은 절박한 환자들은 아직 승인되지 않았거나  
부작용으로 인해 승인되지 않은 약품을 밀수를 통해 복용하고자 함

# ‘공평한 거래’

딜레이니는 이전에 간염 치료를 위한 신약의 실험적 임상 시험에 참여한 적이 있었다. 이 약은 그에게 효과가 있었지만 부작용으로 인해 발의 신경이 손상되었다. 임상 시험은 종료되었고, 독성이 너무 강하다고 판단되어 이를 이용한 치료법은 승인되지 않았다. 그러나 딜레이니는 간염이 나았기 때문에 이것이 “공평한 거래”였다고 생각했다.

# 등준성

임상 대조군 연구에서 어느 쪽이 최상의 치료를 받고 있는지 가늠하기 어려운 불확실성이 유지되는 상태를 일컬어 등준성이라고 부른다. 만약 한쪽의 치료법이 명백히 우월하다면 시험을 계속하는 것은 비윤리적인 행위가 된다. AZT 사례에서 2상 연구는 NIH의 데이터 및 안전성 검토 위원회에 의해 초기에 ‘맹검 상태가 해제’되었다. 그들은 등준성이 더 이상 성립하지 않는다고 결론지었다. 그러나 이로써 AZT를 모든 사람들에게 좀 더 빨리 공급할 수 있게 되었지만, 통제된 조건 하에서 AZT의 장기적 영향을 평가할 수 있는 기회는 사라져 버림

# 사망자 수로서의 환자들

시험의 성공 여부를 판가름하는 유일한 길은 연구에 참여한 플라시보 집단의 사망자 수가 다른 쪽에서 보다 더 많은지를 보는 것

# 능동적인 피험자

- ✧ 다른 피험자와 약 나눠 먹기
- ✧ 캡슐을 열어 쓴 맛을 통해 위약 구분하기
- ✧ 화학자에게 약에 대한 분석을 의뢰하기
- ✧ 임상시험 중 금지된 다른 약물 복용하기



# 완화된 임상시험의 요구

임상시험 기간 중에도 다른 치료 행위를 허용하라!

# 달라스 바이어스 클럽 (2013)

감독 : 장 마크 발레

출연 : 매튜 맥커너히, 자레드  
레토, 제니퍼 가너

아카데미 남우주연상, 남우조연상 수상

